



# Medicínsko-ekonomické hodnocení (HTA) zdravotnických prostředků

*Seminář ČFES, NODE 5, Praha*

29. 11. 2023

# Program



Čas	Téma	Přednášející
'10	Přivítání & úvod	Tomáš Doležal (ČFES)
'30	Výsledky a prezentace výstupů pracovní skupiny	Tomáš Mlčoch (ČFES) Jiří Klimeš (ČFES)
'15	Hodnocení ZP z pohledu VZP	Jiří Štěrba (VZP)
'15	Hodnocení ZP z pohledu SZP	Jan Beneš (SZP)
'30	Hodnocení ZP z pohledu výrobců	Miroslav Palát (CzechMed) Jana Horová (Medtronic)
'30	Panelová diskuse	Daniela Rrahmaniová (MZ) Kateřina Podrazilová (SUKL) Jiří Štěrba (VZP) Jan Beneš (SZP) Jana Horová (Medtronic) Miroslav Palát (CzechMed)
'5	Zakončení	



# Výsledky a prezentace výstupů pracovní skupiny

Tomáš Mlčoch, Jiří Klimeš

29/11/2023



# Úvod

---

# Cíle pracovní skupiny

Cílem České společnosti pro farmakoekonomiku a hodnocení zdravotnických technologií (ČFES) je rozvoj a podpora farmakoekonomiky, HTA a outcome research v České republice, a to všech zdravotnických intervencí.



- Pod hlavičkou ČFES tak vznikla odborná skupina (Task Force), která připraví **metodická doporučení reflektující specifika těchto intervencí (ZP)**
- Plán práce:
  - rešerši
    - i. mezinárodních zdrojů/ literatury,
    - ii. zahraničních agentur - jejich metodik a dále pak i panevropských přístupů - JCA (Joint Clinical assessment).
  - **Dodatek k doporučeným postupům ČFES a návrh/ inspirace na metodiku provádění komplexních analýz pro posuzování ZP.**

# 3 potenciální typy zdravotních prostředků/scope - ZUM

- 1) ZP obdobně účinné se stejnými/nížšími náklady (aka **Srovnatelný ZUM**)
- 2) ZP obdobně účinné **či účinnější (resp. jiná „added value“)** oproti současným ZUM (aka **Obdobný ZUM s inovací**)
- 3) ZP významně účinnější, ale s vyššími náklady oproti nejlepší podpůrné péči (aka **ZUM se zásadní inovací**; neexistuje hrazený ZUM komparátor)

*\*Náklady = celkové náklady na danou intervenci včetně následných terapií, úspory vlivem lepšího podávání, zabránění komplikací či nežádoucích účinků*

## 2 okruhy práce – dobrovolníci/hrdinové

### Rešerše literatury

- **Mlčoch**
- Uherek
- Schimmerová
- Mazalová
- Tichopád
- Šourek
- Kmínek
- Dostál
- Pásztor
- Skoupá
- Beneš

### Rešerše HTA guidelines

- **Doležal**
- Kubeš
- Chadimová
- Klimeš
- Tauchmannová
- Kolek
- Spousta
- Palát
- Bolečková
- Vocolka
- Štěrbá
- Horová
- Weigl
- Haluzová
- Malát
- Kubátová

# ČFES PRACOVNÍ SKUPINA PRO KOMPLEXNÍ MEDICÍNSKO-EKONOMICKÉ HODNOCENÍ ZDRAVOTNICKÝCH PROSTŘEDKŮ



**Listopad 2023**

**Autorský tým:**

Jiří Klimeš, Tomáš Mlčoch, Tomáš Doležal, Štěpán Uherek, Aneta Schimmerová, Martina Mazalová, Aleš Tichopád, Jakub Šourek, Aleš Kmínek, Filip Dostál, Bálint Pásztor, Jana Skoupá, Jan Beneš, Martin Kubeš, Kateřina Chadimová, Michaela Tauchmanová Spoustová, Martin Kolek, Tomáš Spousta, Miroslav Palát, Jana Bolečková, Milan Vocelka, Jiří Štěrbá, Jana Horová, Robert Weigl, Jana Haluzová, Michaela Malát, Ivana Kubátová

**Dostupné online: <https://farmakoekonomika.cz/cfes-pracovni-skupina-pro-komplexni-medicinsko-ekonomicke-hodnoceni-zdravotnickych-prostredku/index.htm>**

# Struktura finálního dokumentu

## **WP1: Metodické zvláštnosti/odlišnosti HTA zdravotnických prostředků vs. léčiva**

Výzkumná otázka 1: *Existují metodická specifika v HTA hodnocení zdravotnických prostředků hodná zřetele oproti jiným technologiím (zejména léčivým přípravkům)?*

## **WP2: Přehled mezinárodních guidelines**

Výzkumná otázka 2: *Jak je v současnosti aplikováno HTA v jiných zemích našeho kulturního okruhu (Evropa, země standardně používající HTA)?*

V případě WP1 bylo provedeno standardní **systematické review literatury (SLR)** dle mezinárodně uznávaných postupů

V případě WP2 bylo zacíleno celkem na **13 zemí** věnující se hodnocení ZP: (Anglie/Wales, Austrálie, Belgie, Estonsko, Francie, Nizozemsko, Kanada, Německo, Rakousko, Slovensko, Švédsko, Švýcarsko, USA) + **EUnetHTA**

# Část 1: Metodické zvláštnosti/odlišnosti HTA zdravotnických prostředků vs. léčiva

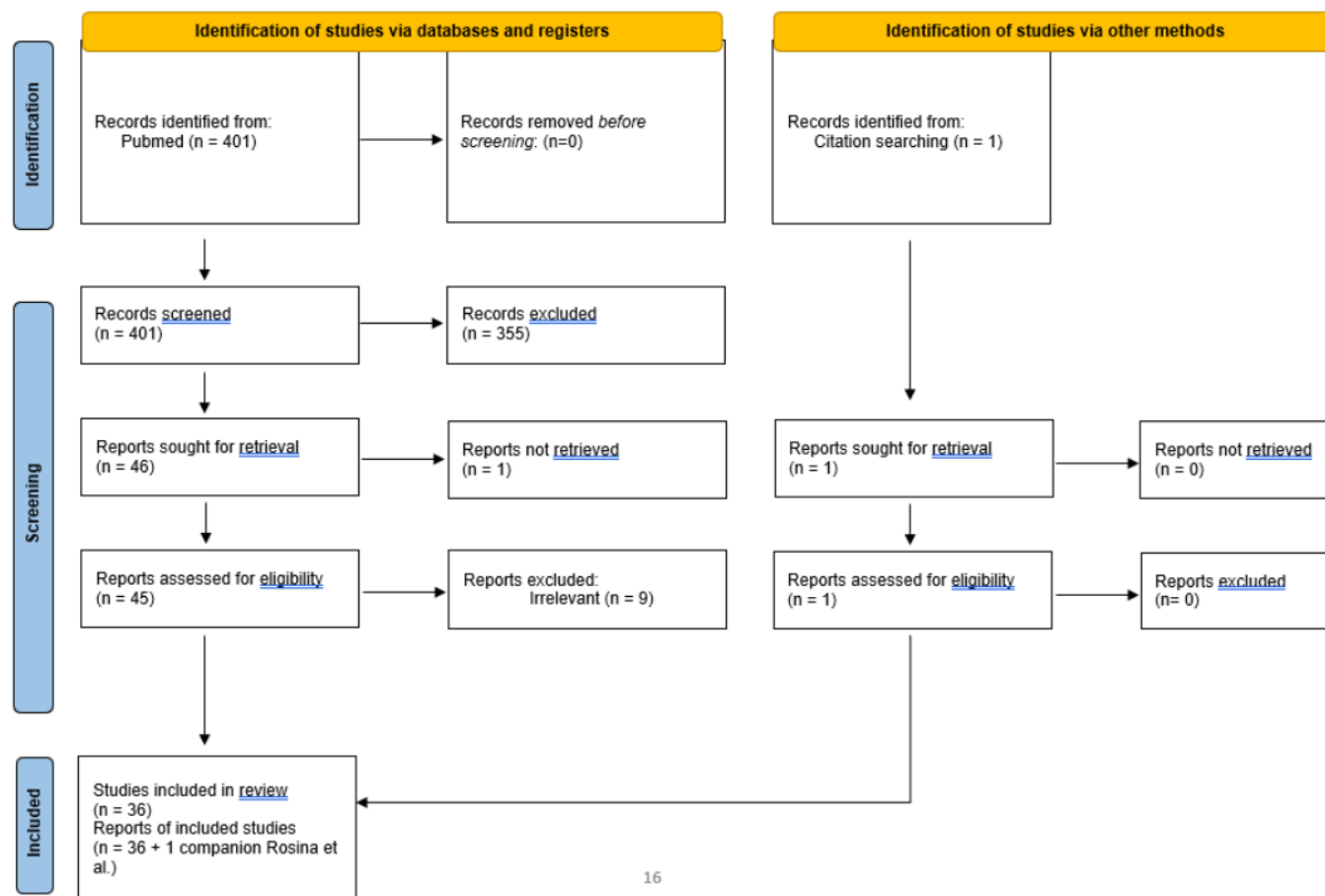
---

# Metodické odlišnosti ZP vs. standardní léčiva (Kapitola 1): SLR



ČFES, HTA zdravotnických prostředků, listopad 2022

811 hitů, 401 vyfiltrovaných (ENG, humánní studie), 45 studovaných a 36 zařazených studií do SLR



Příloha 1: Systematické review literatury

Search terms in PubMed

Date of search	29/05/2023
Inception date restriction	None
String #1	("Health Policy/economics"[MeSH] OR "Technology Assessment, Biomedical"[Mesh] OR ("Cost-Benefit Analysis/economics"[Mesh] OR "Cost-Benefit Analysis/methods"[Mesh] OR "Cost-Benefit Analysis/standards"[Mesh] )) AND ("medical" AND ("device" OR "devices"))
String #2	("Health Policy/economics" OR "Technology Assessment, Biomedical" OR ("Cost-Benefit Analysis/economics" OR "Cost-Benefit Analysis/methods" OR "Cost-Benefit Analysis/standards")) AND ("medical" AND ("device" OR "devices"))
String #3	String #1 OR String #2
Hits	811
NCBI Filters:	2008+, english, humans
Hits with filters:	401
Abstracts taken for further inspection based on screening of titles	Reviewer 1: 80. Reviewer 2: 81. Reviewer 3: 61
Abstracts preselected	Reviewer 1: 54 Reviewer 2: 56 Reviewer 3: 34 Total reconciliated: 80
Titles excluded after internal discussion of reviewers	34 Note: preselected titles that matched were automatically included (21 titles preselected by all 3 reviewers; 22 preselected by 2 reviewers)
Full-texts taken for inspection	45 (1 report not retrieved)
Excluded after reading	9 (irrelevant)
Full-texts included to review	36

Pearl grow complementary

Articles identified	1
Full-texts included to review	1

Eligibility criteria:

- No particular indication
- No specific population
- Not country specific
- Publication in English language
- Published in the last 15 years

# Metodické odlišnosti ZP vs. standardní léčiva (Kapitola 1): parametry zájmu



Celkem **14 parametrů** zájmu/specifik pro ZP:

Některé parametry jsou **stejné jako u léků**, **některé odlišné**

V první fázi byly identifikovány jednotlivé parametry zájmu a následně byla z vybraných 46 článků požadovaná data extrahována. Konkrétně bylo zkoumáno celkem 14 parametrů/specifik, které byly identifikovány jako relevantní pro HTA ZP s důrazem na analýzu nákladové efektivity:

- 1) perspektiva analýzy
- 2) doporučený typ analýzy
- 3) komparátor
- 4) časový horizont
- 5) analýza citlivosti/nejistota
- 6) diskontace
- 7) zdroje dat pro HTA a jak naložit s „low evidence“
- 8) specifika přenositelnosti dat
- 9) řešení tzv. learning curve
- 10) řešení incremental Innovation a dynamic pricing
- 11) jaké zahrnovat náklady
- 12) řešení organizational impactu
- 13) řešení přínosu (outcomes) daného ZP
- 14) další/jiná specifika a jejich řešení.

# Výsledky a vyhodnocení zkoumaných parametrů: 1-3



## 1) Perspektiva analýzy: stejná perspektiva jako u ostatních technologií

**Závěr:** V případě zdravotnických prostředků by měla být použita stejná perspektiva jako u ostatních hodnocených technologií vstupujících do zdravotního systému (tj. v ČR perspektiva plátce zdravotní péče), a to především z důvodů porovnatelnosti těchto technologií v rámci daného systému.

## 2) Doporučený typ analýzy: cost-utility, případně CEA/CCQ

**Závěr:** Většina autorů, kteří se zabývají volbou typu analýzy pro hodnocení zdravotnických prostředků se přiklání ke cost-effectiveness analýze, především cost-utility, a tedy tuto lze obecně považovat za doporučenou. Cost-consequence analýza může být také volbou. Nicméně typ analýzy by měl být vždy volen s ohledem na typ zdravotnického prostředku.

## 3) Komparátor: stejná definice jako u ostatních technologií

**Závěr:** V případě zdravotnických prostředků by měla být použita stejná definice komparátora jako u ostatních hodnocených technologií vstupujících do zdravotního systému, tedy terapie hrazené a používané u cílové skupiny pacientů v reálné klinické praxi (tj. terapie, které budou nahrazovány vstupující technologií).

# Výsledky a vyhodnocení zkoumaných parametrů: 4-6



## 4) Časový horizont: dostatečně dlouhý, podobně jako u jiných technologií

**Závěr:** Lze shrnout, že časový horizont by měl být zvolen s ohledem na typ zdravotnického prostředku. Zároveň by měl být dostatečně dlouhý, aby byly zohledněny všechny rozdíly mezi hodnocenou technologií a komparátorem. Časový horizont by standardně neměl přesáhnout 20 let, a to vzhledem k rychlosti inovací v oblasti zdravotnických prostředků. V případě, že délka časového horizontu představuje nejistotu, v rámci analýzy senzitivity by měly být testovány různé délky časových horizontů.

## 5) Analýza citlivosti/nejistota: součást hodnocení ZP jako u jiných technologií

**Závěr:** Lze shrnout, že analýza citlivosti, zejména deterministická a probabilistická, je doporučenou součástí HTA hodnocení ZP. Oproti jiným technologiím je u ZP vyšší nejistota vázaná na „learning curve“ a na budoucí inkrementální inovace, které lze očekávat.

## 6) Diskontace: ano, jako u jiných technologií

**Závěr:** Diskontace je doporučena všemi autory, kteří ji ve svých pracích zmiňují. U ZP by se neměla lišit od diskontace, která je v daném kontextu používána u jiných technologií. Diskontace by se měla týkat jak nákladů, tak benefitů.

# Výsledky a vyhodnocení zkoumaných parametrů: 7-9

## 7) Learning curve (učicí křivka): měla by být zohledněna a zahrnuta

Závěr: Lze shrnout, že křivka učení by měla být v relevantních případech zohledněna a zahrnuta v ekonomickém hodnocení. V ideálním případě by data křivky učení měla pocházet z randomizované studie, nicméně v případě nedostatku dat mohou být využity alternativní zdroje, jako například nerandomizované studie, expertní názor apod.

## 8) Incremental innovation a dynamic pricing: zohlednit, ale otázka „jak“

Závěr: Komplexní HTA přehodnocení by mělo být prováděno zejména, pokud má modifikace zdravotnického prostředku podstatný vliv na jeho klinickou účinnost a/nebo bezpečnost. Vliv nejistoty vyplývající z budoucích změn účinnosti či nákladů na hodnocený ZP by měl být diskutován a testován v analýze senzitivity.

## 9) Náklady: všechny relevantní pro danou perspektivu

Závěr: V rámci HTA analýz by měly být uvažovány všechny relevantní náklady pro danou perspektivu. Toto doporučení je v souladu s obecnými doporučenými postupy ČFES. Kromě nákladů na samotný ZP by autoři analýz měli zohlednit i všechnu relevantní zdravotní péči spojenou s využitím ZP. Může se jednat například o náklady na hospitalizaci (DRG tarif, platba za lůžko-den) či výkon (výkonová platba), v rámci kterých je ZP hrazen. Do analýzy by měla být zahrnuta rovněž relevantní zdravotní péče poskytovaná před a po využití hodnoceného ZP.



**Incremental Innovation**  
*Series of improvements or upgrades that companies make on their existing products.*

**Gillette often upgrades.**

**Indoor lighting has changed a lot.**

**Apple Inc. is a well-known incremental innovator.**

**Insulin pumps now & before.**

# Výsledky a vyhodnocení zkoumaných parametrů: 10-14

## 10) Organizational impact: měla by být vyhodnocen a ideálně kvantifikován

Závěr: Organizační dopady vyplývající z adopce hodnoceného zdravotnického prostředku do klinické praxe by měly být v komplexní HTA analýze vyhodnoceny. Pokud dopady v analýze není možné kvantifikovat, je vhodné organizační dopady popsat kvalitativně.

## 11) Jak naložit s nízkou úrovní evidence (zdrojem dat): zohlednit data s nejvyšším stupněm EBM, ale vzít v potaz neexistenci/nemožnost provedení RCT. Při neexistenci RCT použít metody pro snížení zkreslení. Možnost úhrady v omezeném režimu

Závěr: V případě vstupních dat do HTA analýz zdravotnických prostředků je vhodné stejně jako u léčivých přípravků využívat data s nejvyšším stupněm evidence podle EBM pyramidy. Je zde ale nutné vzít v potaz častou neexistenci (nemožnost provedení) randomizovaných kontrolovaných studií a větší podíl dat pocházející z observačních studií. Kvalita dat by měla být zhodnocena pomocí klasických nástrojů a případné zkreslení dat by mělo být sníženo pomocí vhodných statistických metod. V případě neexistence dostatečně kvalitní evidence je vhodné zvážit úhradu v omezeném režimu – např. only in reasearch, coverage with evidence nebo pomocí risk sharingových smluv.



# Výsledky a vyhodnocení zkoumaných parametrů: 12-13



12) Specifika přenositelnosti **(klinických)** dat: **podobně jako u jiných technologií, nutnost posouzení (např. learning curve, organizational impact)**

Závěr: V případě využití dat u stejného zdravotního prostředku je vždy třeba posoudit podobnost systému, ve kterém byla prováděna studie, s lokálním systémem. V případě podobnosti by měla být přenositelnost poměrně vysoká. Problém s nedostatečnou velikostí observačních studií by mohlo vyřešit propojení souborů dat a mezinárodních studií a vytvoření společných šablon pro vývoj registrů, která by zajišťovala vyšší homogenitu dat. Data vstupující do HTA analýz by měla být podrobena hodnocení kvality. U obdobných zdravotnických prostředků (modifikace stávajícího ZP/podobný postup) lze zvážit využití již dostupných dat jiného prostředku, pokud jsou tato data dostatečně robustní a aplikovatelná v lokálním kontextu.

13) Přínosy/outcomes ZP: **QALY first, ale když nelze QALY, tak jiné přínosy**

Závěr: Část z výše uvedených publikací uvádí, že kvalita života a z ní odvozené QALY mohou být relevantními ukazateli přínosu ZP. V některých případech však přínos hodnocené technologie není či nemůže být v QALY adekvátně zachycen, a z tohoto důvodu někteří autoři doporučují v HTA analýzách využívat přímo data o bezpečnosti a klinické účinnosti daného ZP. Kromě klinických přínosů autoři doporučují vyhodnocovat rovněž relevantní neklinické přínosy produktu.

# Výsledky a vyhodnocení zkoumaných parametrů: 14



14) Další specifika hodnocení ZP: **každý ZP je unikátní**, což ale platí pro všechny medicínské technologie (např. kvalita evidence, typ úhrady, coverage with evidence development, HTA pro každou indikaci zvlášť)

**Závěr:** Při hodnocení zdravotnických prostředků je nutné reflektovat jejich specifika, která je z pohledu HTA odlišují od jiných technologií. Důležité je klást důraz na vysokou kvalitu evidence v souladu s EBM a nezahrnovat nerelevantní studie. V případě nedostatečné evidence je možné využít i úhradu s následným sběrem dat (coverage with evidence). V rámci HTA analýz je nutné hodnocený ZP vždy hodnotit v dané indikaci.

# Metodické odlišnosti ZP vs. standardní léčiva (Kapitola 1): závěry



**Specifickými aspekty** pro skupinu zdravotnických prostředků jsou:

- Často **kvalita klinické evidence**, která vyžaduje **jednodušší typy analýzy** nákladové efektivity a nelze tak vždy dosáhnout zlatého standardu v podobě cost-utility analýzy za použití QALY
- Naproti tomu analýza dopadu do rozpočtu je považována za zcela standardní
- Jednoznačným specifikem je vliv kontextu, ve kterém je ZP používán. Tyto aspekty by měly být vždy zváženy a ideálně i kalkulovány v rámci analýzy:
  - 1) „learning curve“ (učící křivka)
  - 2) incremental innovation (malé nepatrné inovace, které ale za několik cyklů/let mají velký kumulativní vliv)
  - 3) dynamic pricing (zpravidla významné snížení ceny v brzkém čase vlivem konkurence)
  - 4) přenositelnost dat (zhodnotit podobnost systému, využití v praxi či specifika organizačních aspektů)
  - 5) jaké zahrnovat náklady (např. výkon, hospitalizace, zaškolení)
  - 6) organizační aspekty daného ZP (vybavení, infrastruktura, organizace péče)

Naproti tomu v přístupu k ostatním základním ukazatelům (**zdroje dat, costing, časový horizont, perspektiva, výběr komparátorů, diskontace a analýza citlivosti/nejistot**) se **hodnocení ZP řídí stejnými principy jako u ostatních zdravotnických technologií.**

## Část 2: Přehled mezinárodních guidelines

---

# Přehled mezinárodních guidelines (Kapitola 2)



Země, které mají **komplexní proces hodnocení** ZP: UK, Německo, Francie, Nizozemí, Švédsko, Austrálie

Rozsah hodnocení ZP a typ intervencí, které jsou zahrnuty do hodnocení (tzv. in scope), se v jednotlivých zemích liší

Analýza dopadu na rozpočet by měla být kalkulována **vždy**

Ekonomické hodnocení by mělo **preferovat CUA** s ohledem na konzistenci hodnocení a přenositelnost (výsledků hodnocení) do jiných technologií. S ohledem na kvalitu a dostupnost evidence je možné provádět také typy analýz CMA, cost-consequence či CEA

Medicínské hodnocení přínosu ZP technologie – zde lze vycházet až téměř přejímat **metodiky EUnetHTA21** – specifické pro ZP (IIb, III), které adresují medicínský přínos ZP technologie (pozn. níže odkazy a recentní use-cases hodnocení)

# Přehled mezinárodních guidelines (Kapitola 2): závěr



Situace ve sledovaných zemích je **velmi různorodá od propracovaných modelů až po začínající systémy**

Shodným rysem je **omezený počet hodnocení**, vyžadující výběr technologií **s největším inovativním potenciálem a vysokým dopadem do rozpočtu**.

Hodnocení je zpravidla prováděno **při vstupu na trh**, ale je možné toto hodnocení provést dle zahraničních příkladů i po vstupu na trh, nebo již zařazené technologie po vstupu na trh přehodnotit.

Mezinárodně podobné jsou **charakteristiky, na základě kterých se ZP/intervence pro hodnocení vybírají**

**Pro HTA hodnocení jsou určeny zejména ZP/intervence**

- (1) **nákladné**, resp. s vyšším **dopadem do veřejných rozpočtů**,
- (2) deklarující **přidaný klinický benefit** na základě důkazů,
- (3) pro indikace s **vysokou nenaplněnou medicínskou potřebou**, kterých nelze uplatňovat jednoduché porovnání s existujícími ZP
- (4) které přináší **úspory v jiných typech nákladů** zdravotních a sociálních rozpočtů

# Závěr

---

# Závěr



- Zdravotnické prostředky **nejsou léky a mají svá specifika...**
- ... tato specifika by ale **neměla znamenat nemožnost** provedení medicínsko-ekonomického hodnocení, které lze provést téměř vždy
- S celou řadou specifíků **ZP se potýkají i léky** (např. na vzácná onemocnění (limits evidence), těžce měřitelné QALY, organizační aspekty, zahrnutí nákladů aj.)
- Některá specifika jsou naopak **pro ZP unikátní**, ta by měla být minimálně diskutována, ale v ideálním případě **kvantifikována a zahrnuta do analýzy**
  - Learning curve, inkrementální inovace, dynamic pricing, přenositelnost dat, organizační aspekty
- Otázka toho, které ZP by se (ne)měly hodnotit je **výlučně politická** a vychází z představ stakeholderů/plátců či zvyklostí v dané zemi
  - **Charakteristiky** určující zahrnutí do hodnocení **jsou** ale víceméně **homogenní** (náklady, dopad do rozpočtu, vyšší přidaný klinický benefit, nenaplněná potřeba léčby, úspory jiných nákladů)
  - Ale míra/výše či „**threshold**“ **pro vznik hodnocení** je v každé zemi velmi **heterogenní**



**Česká společnost pro farmakoekonomiku a hodnocení  
zdravotnických technologií**  
Václavská 316/12, Praha 2  
[www.farmakoekonomika.cz](http://www.farmakoekonomika.cz)

**Děkujeme & těšíme se na spolupráci!**

*...při kultivaci HTA „prostoru“ a prostředí lékové/ zdravotní politiky...*

**Česká společnost pro farmakoekonomiku a hodnocení  
zdravotnických technologií**

Václavská 316/12, Praha 2

[www.farmakoekonomika.cz](http://www.farmakoekonomika.cz)